

## ■ ONCOEMATOLOGIA

### L'ematologia di precisione e il modello della LMC

**A**nni di ricerche hanno rivoluzionato l'approccio alle malattie del sangue. Una rivoluzione partita dalla leucemia mieloide cronica (LMC) con l'avvento di farmaci in grado di colpire precisi bersagli molecolari e lo sviluppo di tecnologie sofisticate in grado di identificare le alterazioni molecolari. Alla cosiddetta "ematologia di precisione" e ai suoi successi è stata dedicata la X edizione della "Giornata Nazionale per la lotta contro leucemie, linfomi e mieloma" promossa da AIL e celebrata in Italia il 21 giugno.

Il vantaggio più importante che offre l'ematologia di precisione consiste nella possibilità di personalizzare al massimo le terapie, con benefici in termini di efficacia e minori effetti collaterali. "Le basi di questo approccio si sono consolidate nella seconda metà degli anni '90, quando venne sperimentata la possibilità di utilizzare i bersagli molecolari per sviluppare terapie innovative basate su piccole molecole di sintesi, come gli inibitori delle tirosinchinasi, in grado di agire direttamente sul bersaglio intracellulare specifico delle cellule leucemiche" afferma **Fabrizio Pane**, Professore Ordinario di Ematologia, Direttore dell'UO di Ematologia e Trapianti

dell'AOU Federico II di Napoli e Presidente della Società Italiana di Ematologia (SIE). "Le nuove terapie, applicate per la prima volta nel trattamento della LMC, si sono dimostrate anche più efficaci di quanto ci si aspettasse. All'imatinib, primo farmaco in grado di inibire l'attività tirosin-chinasica della proteina oncogenica, sono seguite molecole sempre più precise e oggi siamo già alla terza generazione di farmaci".

#### ► Risposta molecolare profonda

L'efficacia di questi nuovi farmaci è stata dimostrata oltre che nella LMC anche per il mieloma, le malattie linfoproliferative, i linfomi. Ma è la LMC il modello del concetto e dei successi della terapia target: i numerosi studi clinici condotti negli ultimi quindici anni hanno dimostrato la capacità degli inibitori delle tirosinchinasi di indurre significative e persistenti risposte profonde di malattia in oltre il 90% dei casi. E oggi il traguardo è la sospensione del farmaco e quindi la guarigione: il passaggio chiave è la "risposta molecolare profonda", obiettivo delle attuali strategie terapeutiche. Vuol dire raggiungere un livello minimo di malattia residua, tale per cui nemmeno i più sofisticati e

sensibili metodi molecolari riescono a vedere la proteina alterata BCR/ABL. Quando questa risposta viene raggiunta e mantenuta nel tempo, significa che le cellule leucemiche sono pochissime e inattive e si può ragionevolmente iniziare a parlare di guarigione: l'interruzione del farmaco senza ritorno della LMC, e quindi la potenziale guarigione, è possibile in almeno il 40% dei pazienti.

#### ► La rete LabNet

Per monitorare in modo affidabile e sicuro la risposta molecolare dei pazienti con LMC e garantire a tutti loro, ovunque risiedano, la stessa accuratezza negli esami di biologia molecolare, è stata attivato il network LabNet, che mette in comunicazione i Centri di Ematologia e i laboratori di biologia molecolare distribuiti sul territorio nazionale. La rete LabNet è stata realizzata dal GIMEMA - Gruppo Italiano Malattie EMatologiche dell'Adulto (con il supporto di Novartis), per ottimizzare la gestione della risposta molecolare e quindi perfezionare la cura dei pazienti con LMC: un paziente che esegue le analisi in uno qualsiasi dei Centri italiani, ha la certezza di ricevere una risposta basata sullo stesso metodo, sottoposto allo stesso controllo di qualità.



Attraverso il presente QR-Code è possibile visualizzare con tablet/smartphone l'intervista a Fabrizio Pane